



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMADOC-1700519818-3372419
EMA/H/C/006693

Nezglyal (*leriglitasón*)

Prehľad o lieku Nezglyal v zrozumiteľnom jazyku a prečo bol liek v EÚ povolený

Čo je liek Nezglyal a na čo sa používa?

Nezglyal je liek, ktorý sa používa na liečbu mozgovej adrenoleukodystrofie u chlapcov vo veku od 2 do 12 rokov, ktorí nemajú žiadne, alebo len mierne klinické príznaky, na základe neurologického funkčného skóre 0 alebo 1.

Liek sa používa u pacientov, ktorých lézie mozgu nevychytávajú kontrastnú látku gadolínium (Gd negatívne lézie) počas snímok mozgu magnetickou rezonanciou, čo naznačuje, že ochorenie je v počiatočných štádiách.

Mozgová adrenoleukodystrofia je forma genetického ochorenia nazývaného adrenoleukodystrofia, pri ktorom sa tukové látky známe ako „mastné kyseliny s veľmi dlhým reťazcom“ hromadia v tkanivách v celom tele, najmä v mozgu, mieche a nadobličkách (dvoch žľazách umiestnených nad obličkami). Pri mozgovej adrenoleukodystrofii spôsobuje hromadenie týchto látok v mozgu zápal a poškodenie ochranného obalu (myelínu), ktorý chráni nervové bunky a napomáha ich signalizácii.

Mozgová adrenoleukodystrofia je zriedkavé ochorenie, a preto bol liek Nezglyal 18. novembra 2016 označený za tzv. liek na ojedinelé ochorenia na liečbu adrenoleukodystrofie. Ďalšie informácie o označení lieku za liek na ojedinelé ochorenia sa nachádzajú na [webovej stránke](#) agentúry EMA.

Liek Nezglyal obsahuje liečivo leriglitasón.

Ako sa liek Nezglyal používa?

Výdaj lieku Nezglyal je viazaný na lekársky predpis a liečbu má začať a sledovať lekár, ktorý má skúsenosti s liečbou ochorení, pri ktorých bunky centrálnej nervovej sústavy prestanú účinkovať alebo odumierajú.

Liek je k dispozícii vo forme suspenzie, ktorá sa užíva ústami jedenkrát denne. Dávka závisí od výšky a hmotnosti dieťaťa.

Pred začatím liečby liekom Nezglyal a počas liečby vykoná lekár pravidelné krvné testy s cieľom skontrolovať, ako dobre funguje pečeň pacienta. Ak sa v testoch preukážu problémy s funkciou pečene pacienta, možno bude potrebné liečbu dočasne zastaviť.

Official address Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us

Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



Viac informácií o používaní lieku Nezglyal si prečítajte v písomnej informácii pre používateľa alebo kontaktujte svojho lekára alebo lekárnika.

Akým spôsobom liek Nezglyal účinkuje?

Liečivo lieku Nezglyal, Ieriglitazón, účinkuje tak, že sa naviaže na receptory (ciele) nazývané „receptory PPAR gama“, ktoré sa nachádzajú v bunkách vrátane nervových buniek, a aktivuje ich. Receptory PPAR gama zohrávajú úlohu pri regulácii funkcie mitochondrií (štruktúr produkujúcich energiu v bunkách), pri spôsobe, akým bunky reagujú na oxidačný stres (poškodenie spôsobené toxickými molekulami obsahujúcimi kyslík známymi ako voľné radikály) a pri zápale. Preto sa očakáva, že Ieriglitazón bude chrániť nervové bunky pred poškodením tým, že zmierni zápal, zlepši funkciu mitochondrií a ochráni pred poškodením spôsobeným voľnými radikálmi.

Aký prínos lieku Nezglyal sa preukázal v štúdiách?

Na hlavnej štúdii sa zúčastnilo 23 chlapcov vo veku od 2 do 12 rokov s mozgovou adrenoleukodystrofiou vrátane chlapcov s Gd pozitívnymi alebo Gd-negatívnymi mozgovými léziami. Všetci pacienti dostávali liek Nezglyal spolu so štandardnou starostlivosťou a v prípade potreby s transplantáciou hematopoetických kmeňových buniek (HSCT) kedykoľvek počas štúdie. HSCT je postup, pri ktorom pacient dostáva kmeňové bunky, ktoré pomáhajú kostnej dreni vytvárať zdravé krvinky. Liek Nezglyal sa neporovnával s inou liečbou. Po 96 týždňoch alebo návšteve pred HSCT bolo zhoršenie ochorenia zastavené (prestalo) u 35 % pacientov (7 z 20 pacientov, o ktorých boli zhromaždené dostatočné údaje) v porovnaní s očakávanou mierou zastavenia ochorenia na úrovni 10 %, ak by sa ochorenie prirodzene vyvíjalo. Väčšina pacientov (6 zo 7), u ktorých došlo k zastaveniu ochorenia liekom Nezglyal, mala na začiatku liečby Gd negatívne mozgové lézie.

Štúdie uskutočnené s liekom Nezglyal sú podrobnejšie opísané v hodnotiacej správe o lieku.

Aké sú vedľajšie účinky lieku Nezglyal a obmedzenia pri jeho používaní?

Zoznam všetkých vedľajších účinkov pozorovaných pri používaní lieku Nezglyal a zoznam všetkých obmedzení sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

Najčastejšie vedľajšie účinky lieku Nezglyal (ktoré môžu postihnúť až 1 dieťa z 10) sú zvýšená hmotnosť, edém očného viečka (opuch spôsobený zadržiavaním tekutín), leukopénia (nízka hladina bielych krviniek) a neutropénia (nízka hladina neutrofilov, druhu bielych krviniek, ktoré bojujú proti infekcii).

Liek Nezglyal nesmú používať osoby, ktoré majú precitlivenosť (alergiu) na lieky obsahujúce tiazolidínidión, ktoré sa používajú na liečbu cukrovky 2. typu. Nesmú ho používať ani osoby, ktoré majú alebo mali srdcové zlyhanie.

Prečo bol liek Nezglyal povolený v EÚ?

V čase schválenia lieku neexistovali žiadne povolené lieky na liečbu pacientov s Gd negatívnou mozgovou adrenoleukodystrofiou, veľmi zriedkavou, rýchlo sa vyvíjajúcou chorobou. Jedinou potenciálnou možnosťou liečby progresívnej (zhoršujúcej sa) cerebrálnej adrenoleukodystrofie (zvyčajne s Gd pozitívnymi léziami) je HSCT.

Preukázalo sa, že liek Nezglyal je účinný pri zastavovaní progresie ochorenia u detí s mozgovou adrenoleukodystrofiou, ktoré majú Gd negatívne lézie, čo je skoré štádium ochorenia, v ktorom sa očakáva, že liečba bude mať najväčší dlhodobý prínos. Z hľadiska bezpečnosti sa vedľajšie účinky považujú za zvládnuteľné.

Pri prijímaní rozhodnutia Európska agentúra pre lieky zvažovala aj podnety od organizácií pacientov a organizácií zdravotníckych pracovníkov.

Agentúra rozhodla, že prínosy lieku Nezglyal sú väčšie ako riziká spojené s jeho používaním a že liek môže byť povolený na používanie v EÚ.

Liek Nezglyal bol povolený za mimoriadnych okolností. Je to preto, že existuje vysoká nenaplnená liečebná potreba na liečbu cerebrálnej adrenoleukodystrofie a kvôli zriedkavosti tohto ochorenia nebolo možné získať všetky informácie o lieku Nezglyal. Spoločnosť musí predložiť ďalšie údaje o lieku Nezglyal. Musí predložiť výsledky štúdie zameranej na bezpečnosť lieku, ako aj výsledky štúdie o dlhodobej účinnosti lieku Nezglyal založenej na registri. Spoločnosť musí tiež každoročne predložiť aktualizované správy o všetkých nových informáciách o bezpečnosti a účinnosti lieku. Agentúra každý rok prehodnocuje všetky nové dostupné informácie.

Aké opatrenia sa prijímajú na bezpečné a účinné používanie lieku Nezglyal?

Na bezpečné a účinné používanie lieku Nezglyal boli do súhrnu charakteristických vlastností lieku a písomnej informácie pre používateľa zahrnuté odporúčania a opatrenia, ktoré majú zdravotnícki pracovníci a pacienti dodržiavať.

Tak ako pri všetkých liekoch, aj údaje o používaní lieku Nezglyal sa neustále kontrolujú. Podozrenia na vedľajšie účinky hlásené pri lieku Nezglyal sa dôkladne hodnotia a zabezpečujú sa akékoľvek nevyhnutné kroky na ochranu pacientov.

Ďalšie informácie o lieku Nezglyal

Ďalšie informácie o lieku Nezglyal vrátane písomnej informácie pre používateľa a hodnotiacej správy sa nachádzajú na webovej stránke agentúry: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/nezglyal.

Ak potrebujete informácie o dostupnosti tohto lieku vo svojej krajine, obráťte sa na [príslušný vnútroštátny orgán](#).